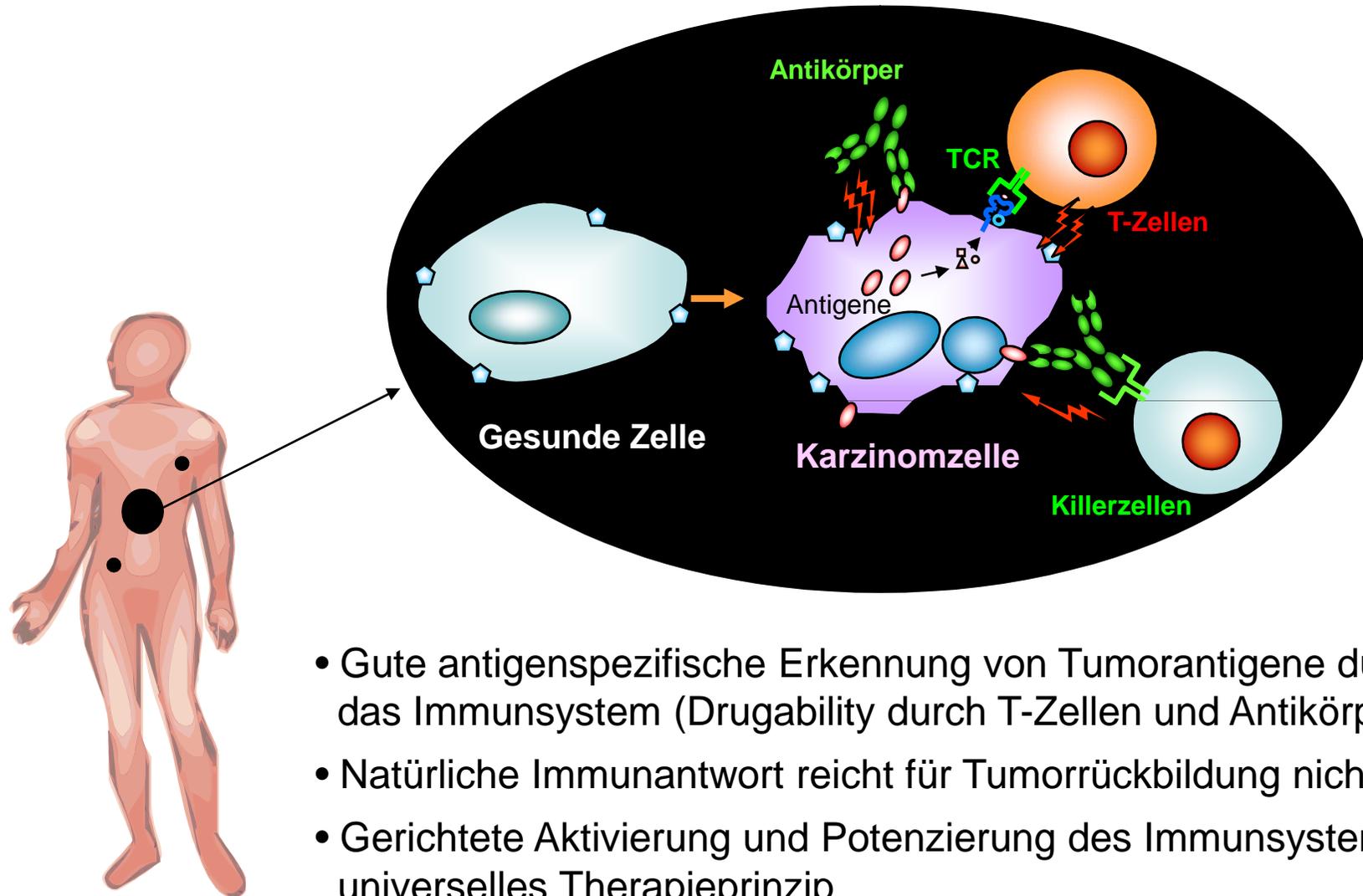




Biopharmaceutische Neue Technologien

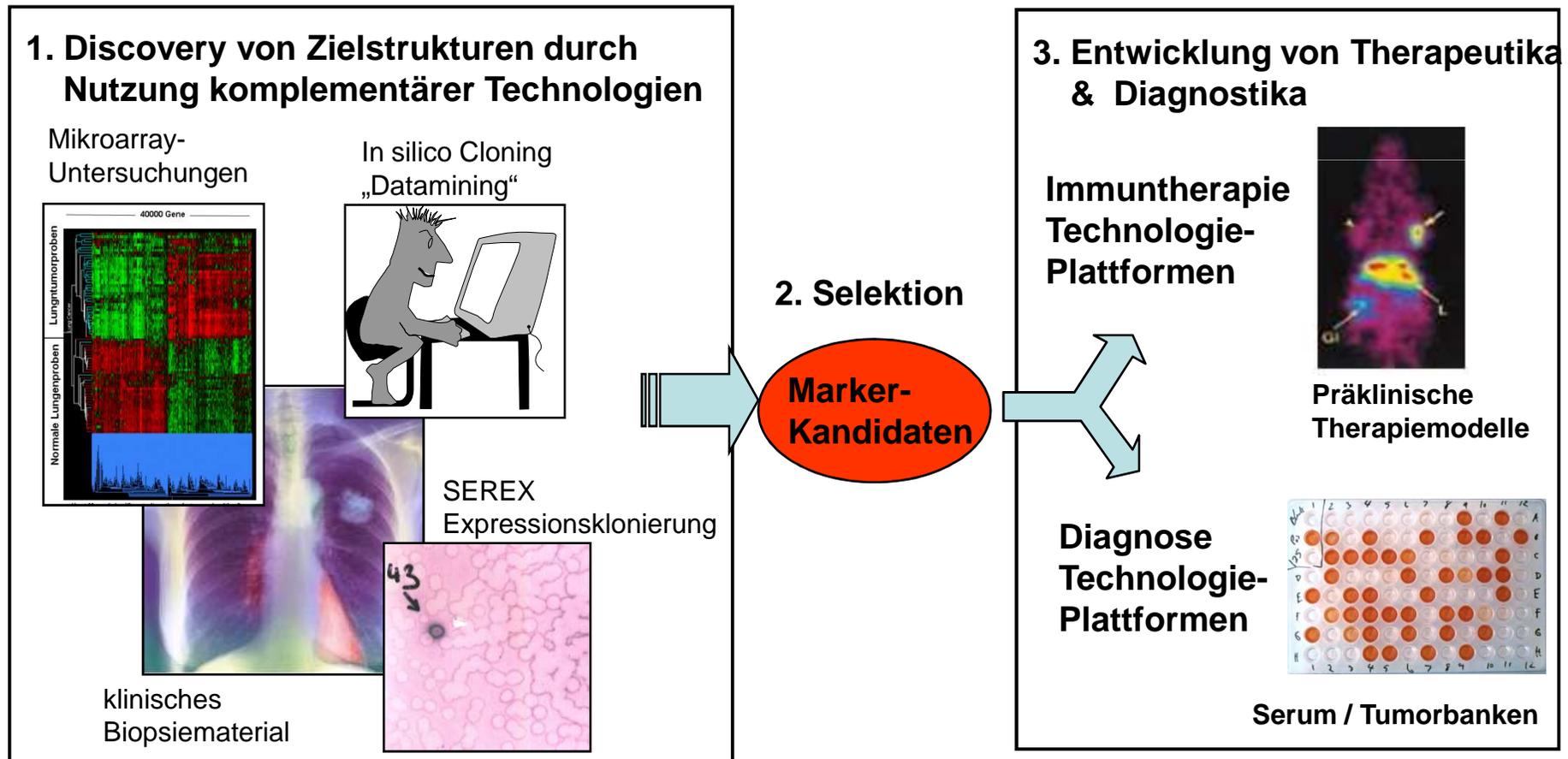
Immunsystemkomponenten als Medikamente



- Gute antigenspezifische Erkennung von Tumorantigene durch das Immunsystem (Drugability durch T-Zellen und Antikörper)
- Natürliche Immunantwort reicht für Tumorrückbildung nicht aus
- Gerichtete Aktivierung und Potenzierung des Immunsystems als universelles Therapieprinzip

Aufgabenbereiche:

- Entwicklung und klinische Testung von Krebsimmuntherapien.
- F&E-Kooperation mit Ganymed zur Identifikation, Validierung von Targets zur Antikörpertherapie.
- Uneigener Fokus Entwicklung und klinische Testung von T-zellbasierten Therapieansätzen und Krebsimpfstoffen (Förderung durch DFG, BMBF, EU, ICE Mainz, Innovationsstiftung RP, NMFZ Uni Mainz, Mittel aus III. Med. Klinik).
- Projektförderung mit expliziter Zielsetzung der Ausgründung von weiteren Unternehmen



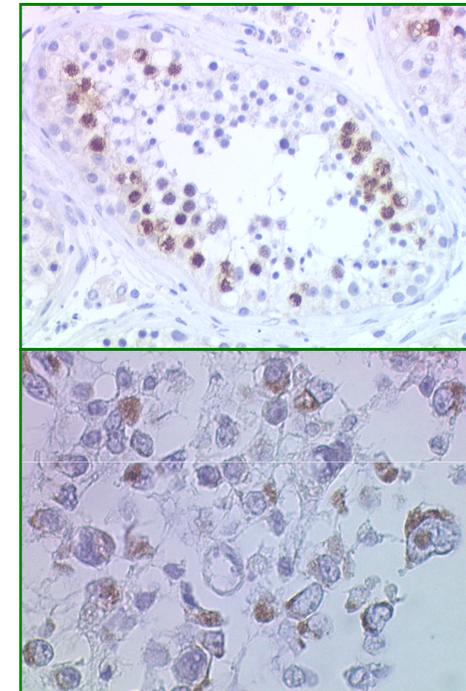
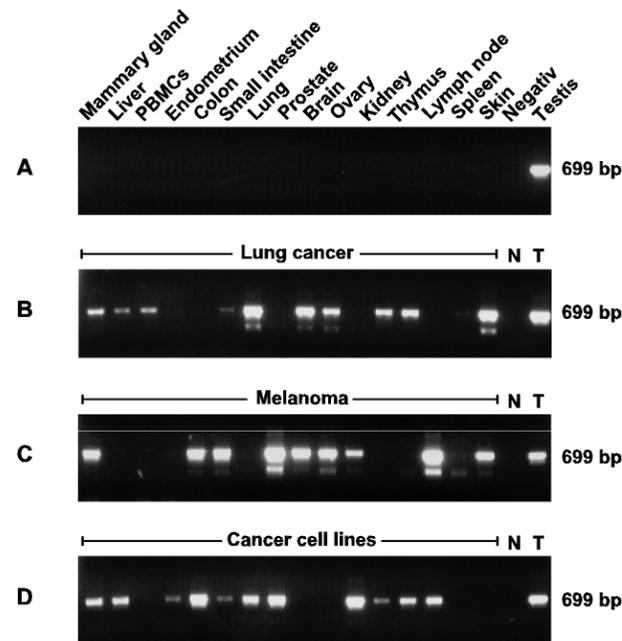
Aktivierung von tumorspezifischen Genen in Krebs

No expression in somatic tissues

Expression in testis

Activation in broad range of cancers

Tumor-associated immune responses



Mehr als 50 Genfamilien

8 identifiziert durch CTL Klonierung

15 identifiziert durch SEREX

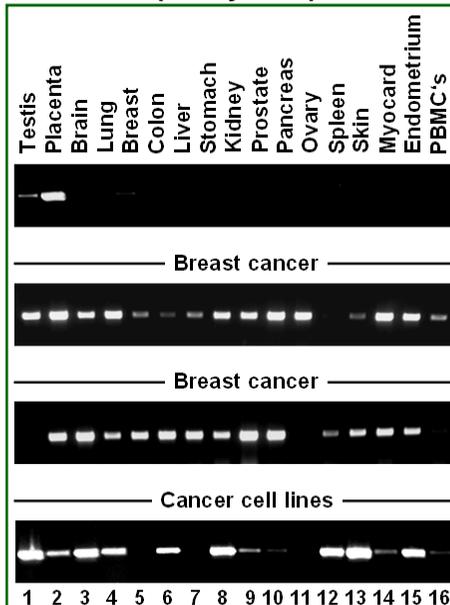
>50 identifiziert durch bioinformatische Methoden

Auswahl von Kandidaten als Zielstrukturen für Tumorthherapie: Beispiel PLAC1*

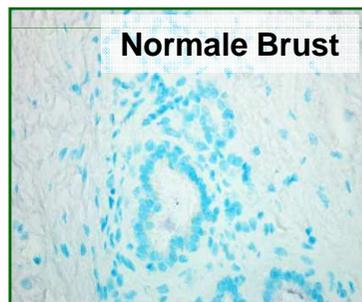
Kriterium 1: Tumorzellspezifität

- Plazentaspezifisches Genprodukt
- Keine Präsenz in gesunden adulten Geweben
- Aktivierung in vielen Tumorentitäten
 Brustkrebs (80%), Lungenkrebs (60%)
 Magenkrebs (40%), Ovarialtumoren (20%)

RT-PCR (35 Zyklen)

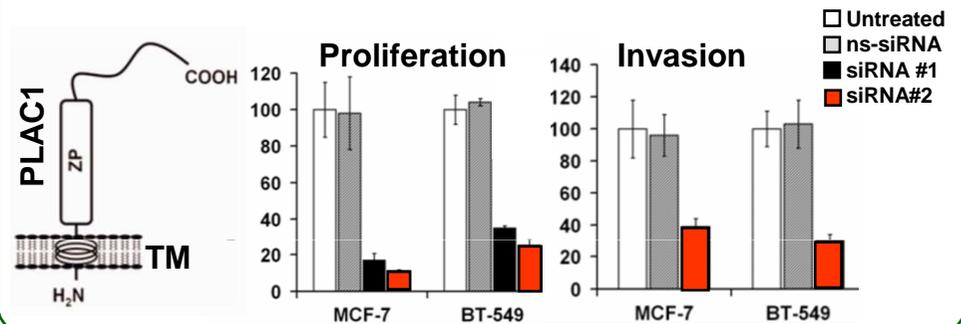


Anti-PLAC1 IHC



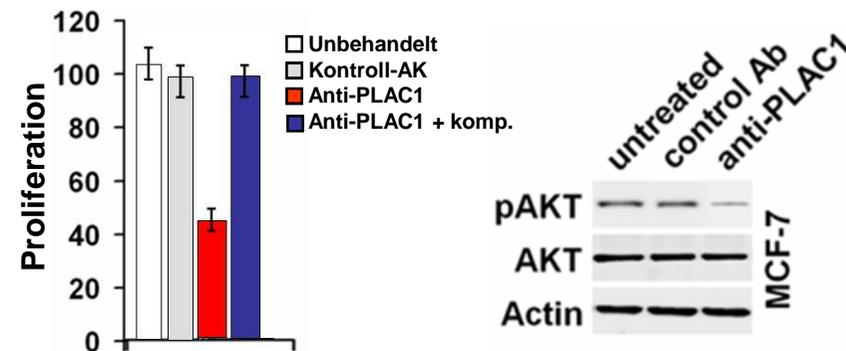
Kriterium 2: Funktionelle Relevanz

- RNAi knock down mit Nachweis einer essentiellen Rolle für Zellproliferation, Zellmigration -und Invasion
- Downstream Effekte über AKT und Cyclin D1



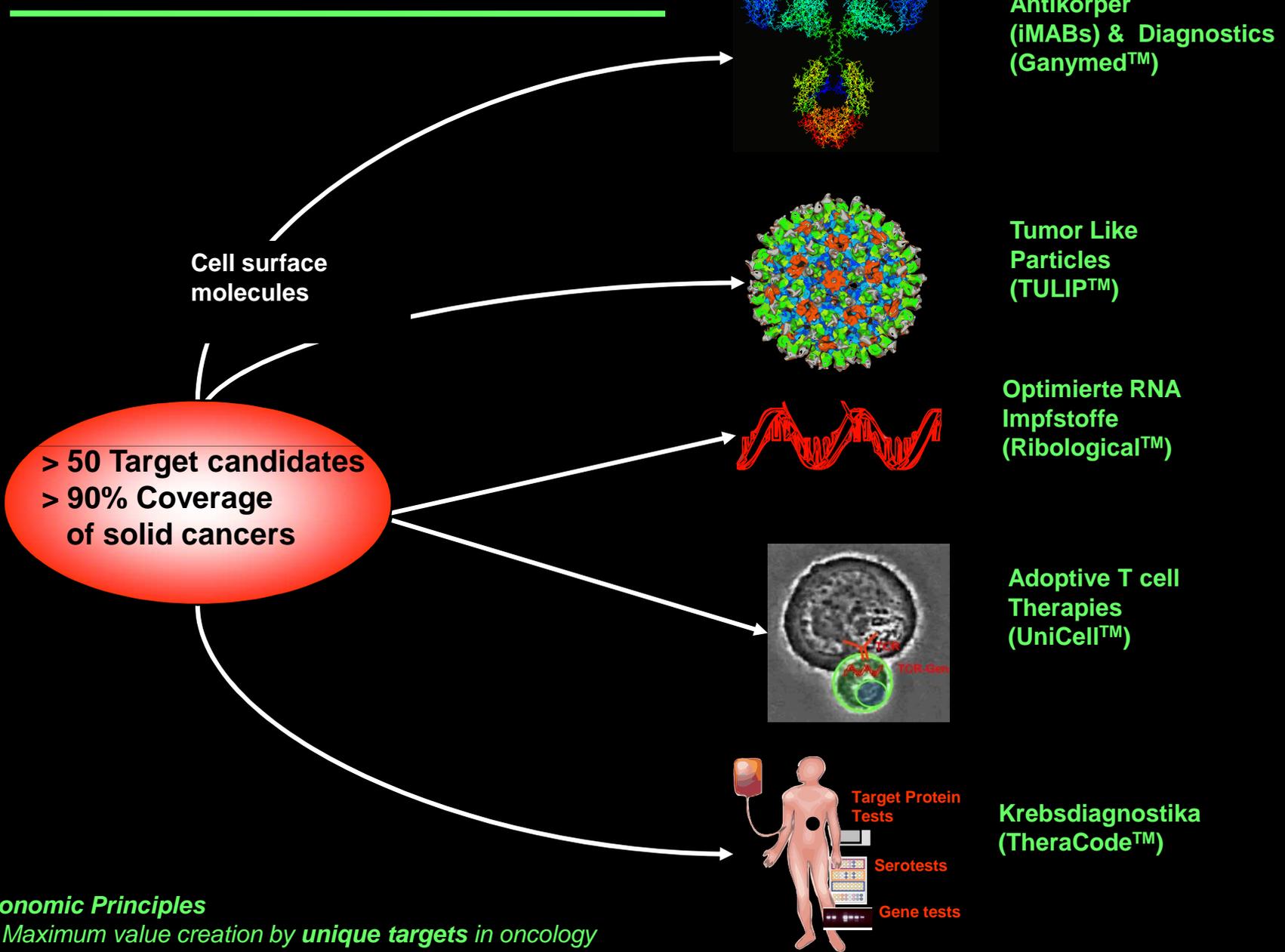
Kriterium 3: Drugability

- Funktion neutralisierbar durch Anti-PLAC-1 AK



* Koslowski et al., Cancer Res. 2007 A Placenta-Specific Gene Ectopically Activated in Many Cancers Is Essentially Involved in Malignant Cell Processes

Von Targets zu Arzneimitteln



Economic Principles

1. Maximum value creation by **unique targets** in oncology
2. Upside potential for additional value creation by use of **technologies** in non-oncology indications

BioNTech AG



Gründer **Christoph Huber und Ugur Sahin**
 (III. Dept. of Medicine, Mainz)

Vorstand **Ugur Sahin (CEO)**

Aufsichtsrat **Helmut Jeggler, Michael Motschmann, Christoph Huber**

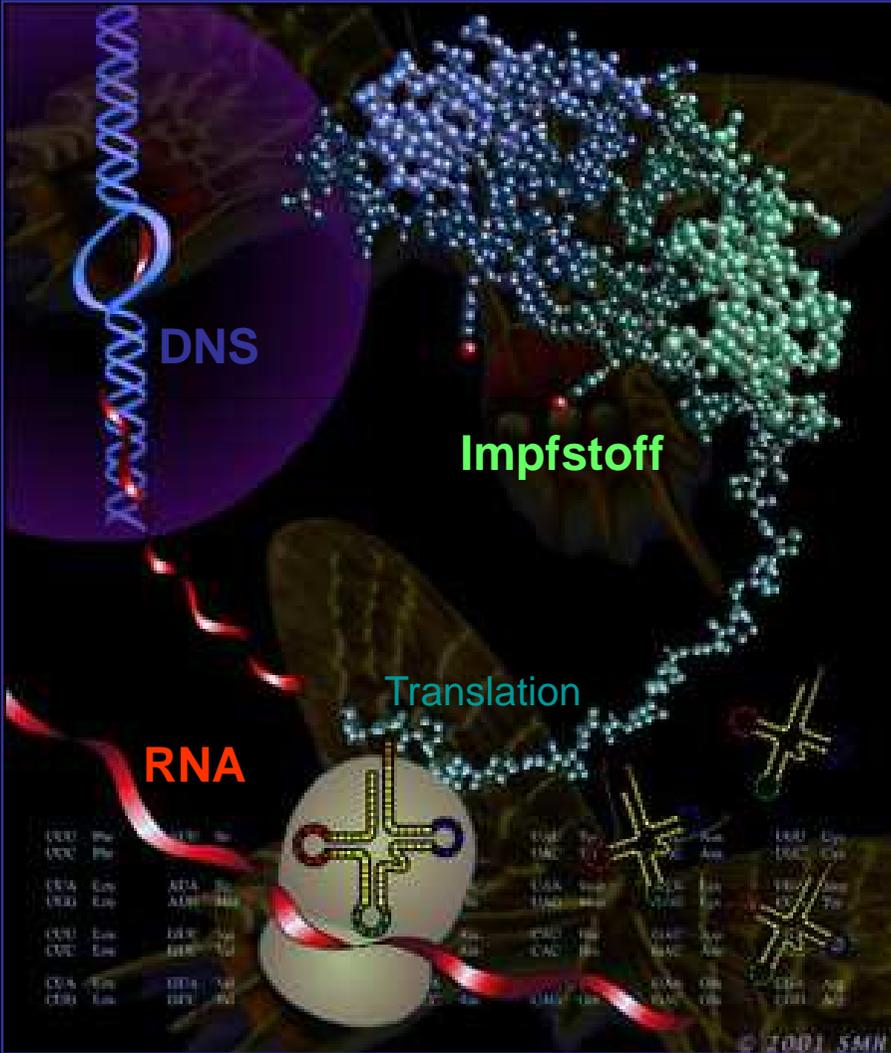
Wissenschaftl. Beirat **Hans Hengartner & Rolf Zinkernagel**

Historie **10/2008 Gründung**
 12/2008 Finanzierung (AT Impf AG, MIG)

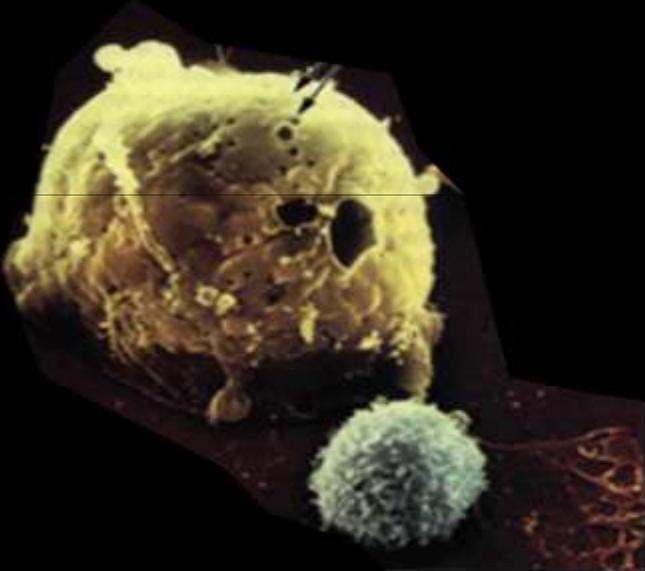
Mission **Entwicklung von Krebsimmuntherapien & Krebsdiagnostika**



Ribological

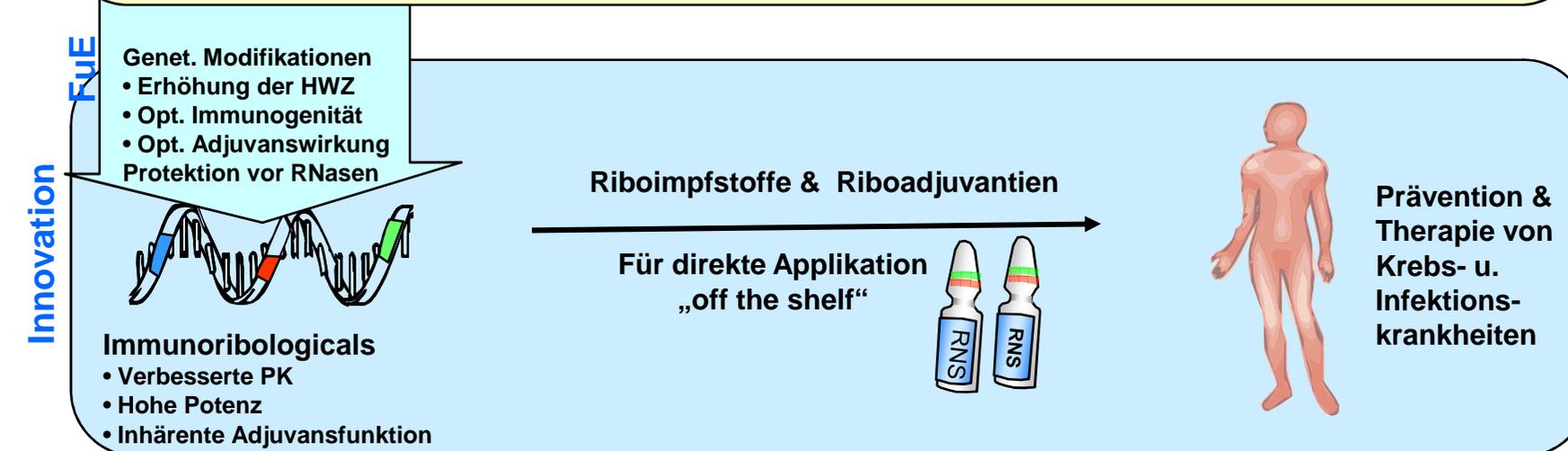
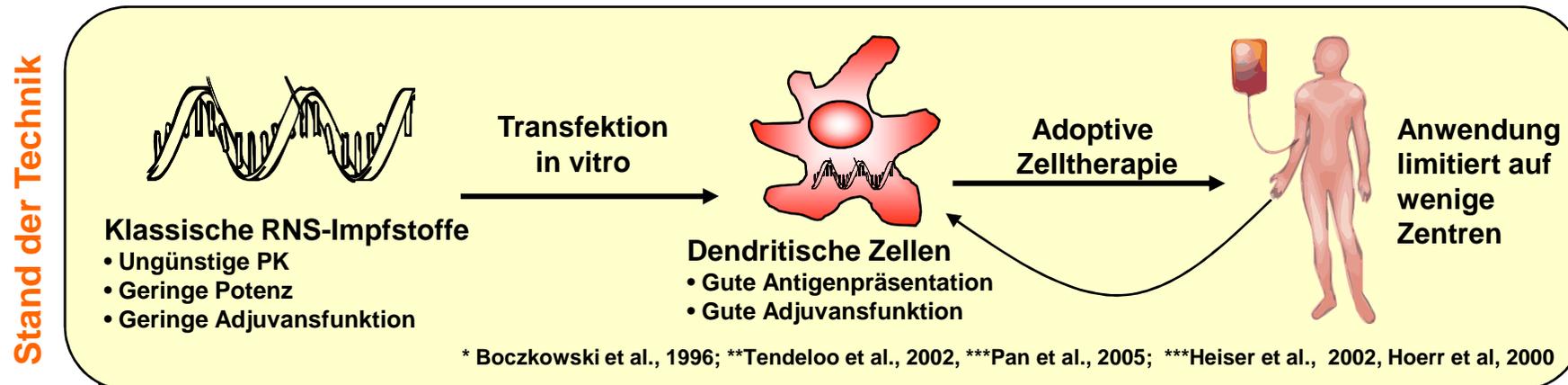
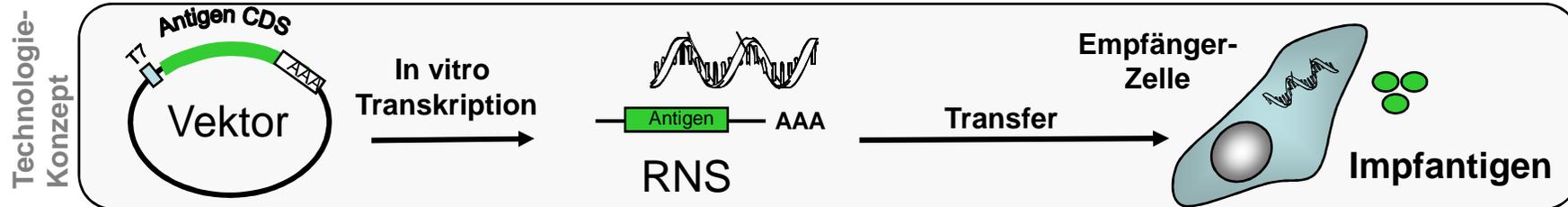


Tumorzelle



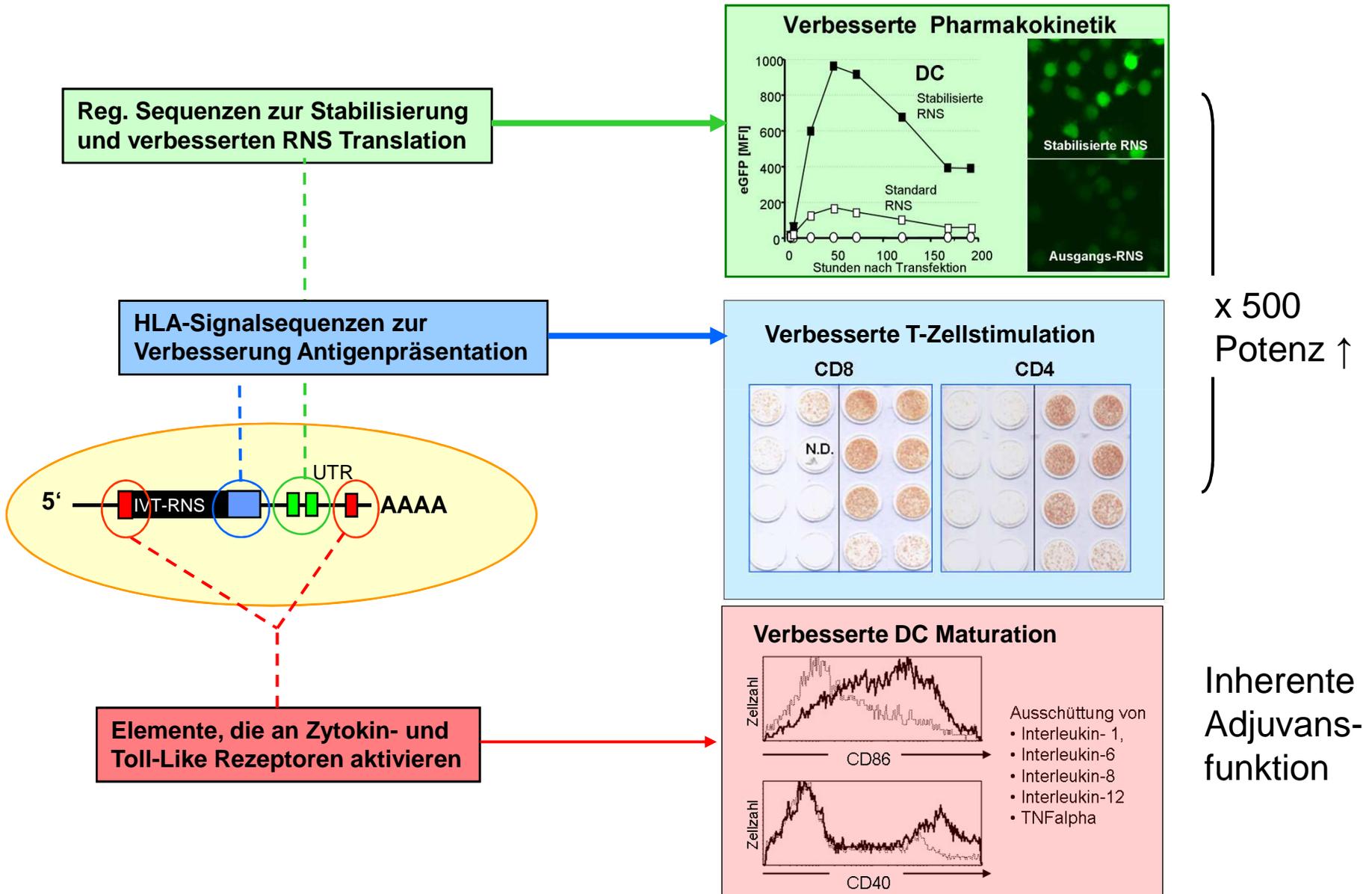
Cytotoxische T-Zelle (CTL)

RNS als Wirkstoffklasse für Impfstoffentwicklung



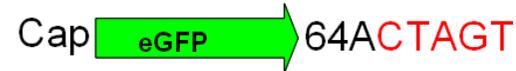
Ribopharmaka Vorarbeiten zu Phase-1

Genetische Modifikationen von RNS



Ribopharmaka Verbesserung der Pharmakokinetik

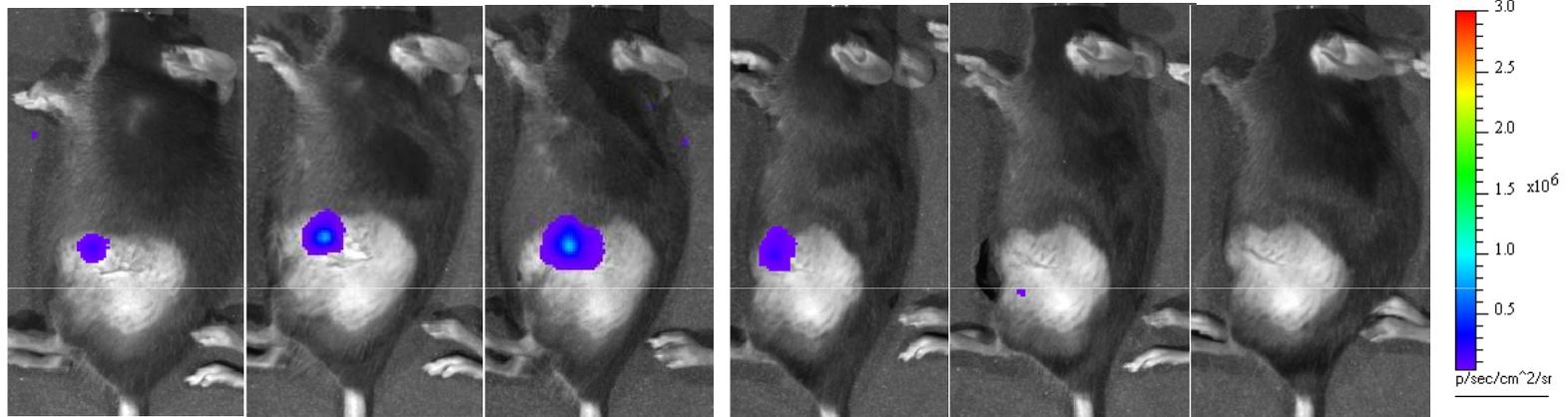
pST1-eGFP-PolyA- Spe1:



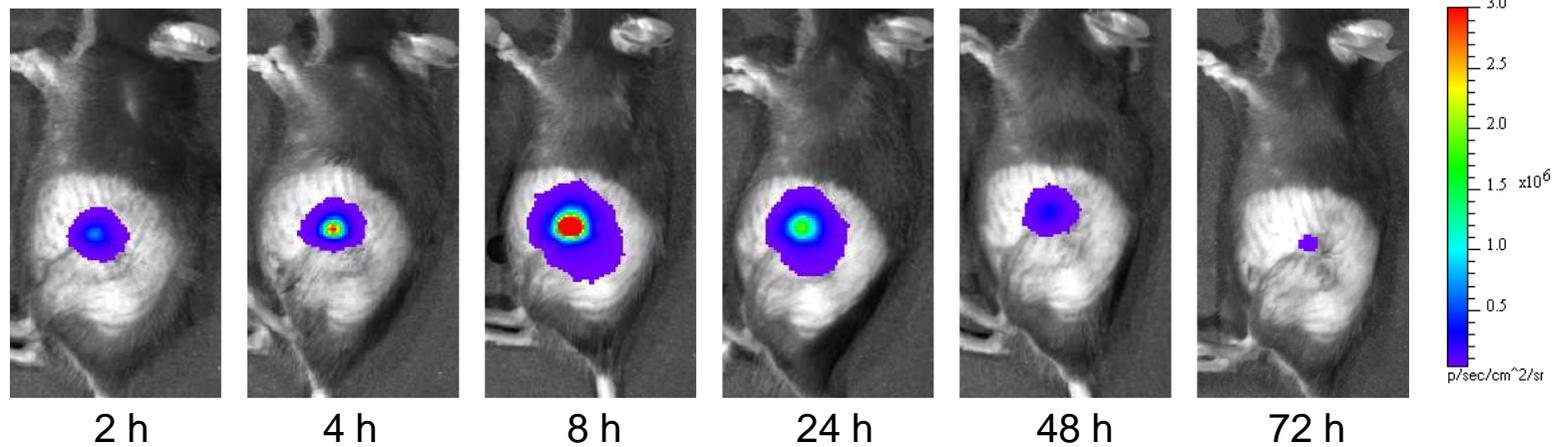
pST1-eGFP-3'BgUTR-PolyA- SAP1:



Standard Cap



Modif. Cap



2 h

4 h

8 h

24 h

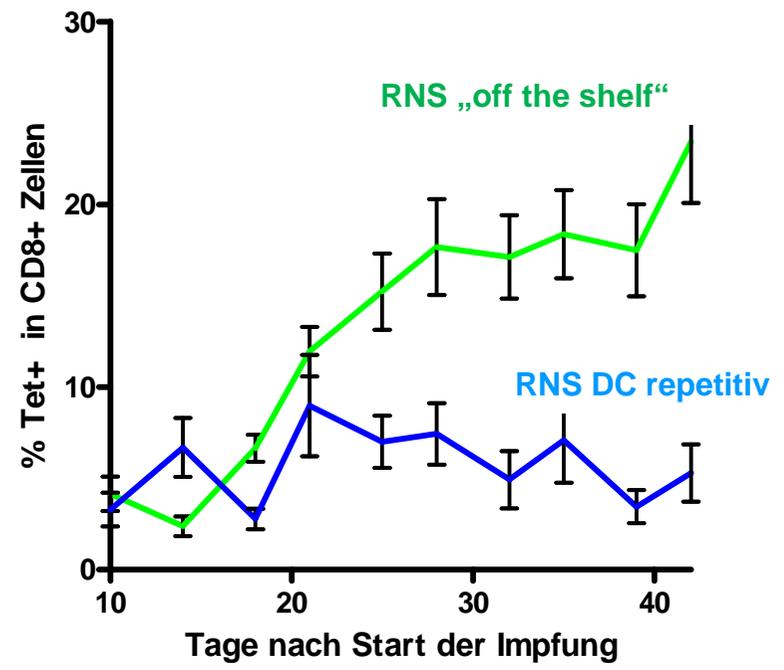
48 h

72 h

Ribopharmaka Behandlungsprotokolle

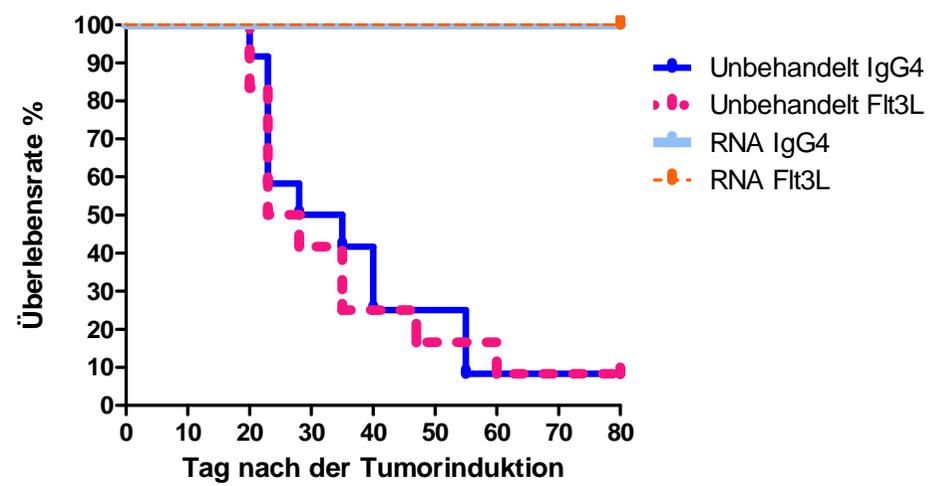


Vergleichende Repetitive Immunisierung

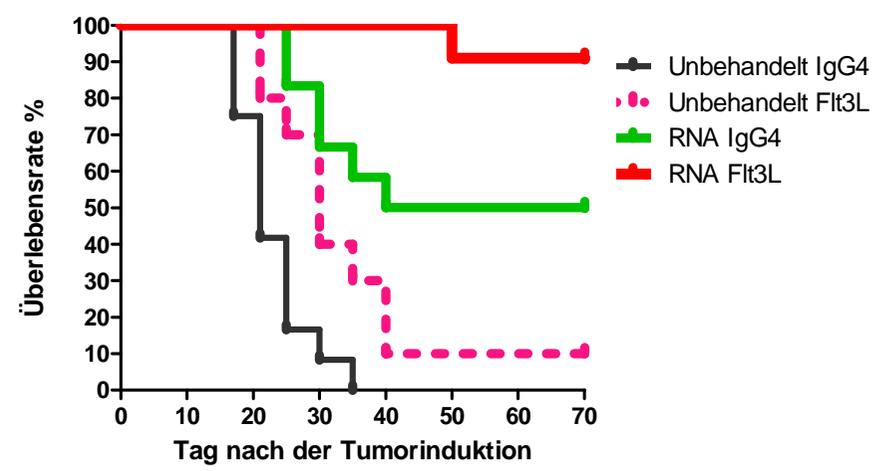


Patentanmeldung in Vorbereitung

Prophylaktische Vakzinierung B16/OVA Melanommodell



Therapeutische Vakzinierung B16/OVA Melanommodell



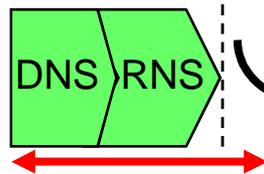
Potential für therapeutische Nutzung von RNS

Konventionelle rekombinante Proteine / Viren



- Lange Produktionszeit
- Hohe Kosten
- Prozess individuell für jedes IND
- Hohe Kompetition

Ribopharmaka



1,5- 3 Monate
0,1- 0,25 Mio €

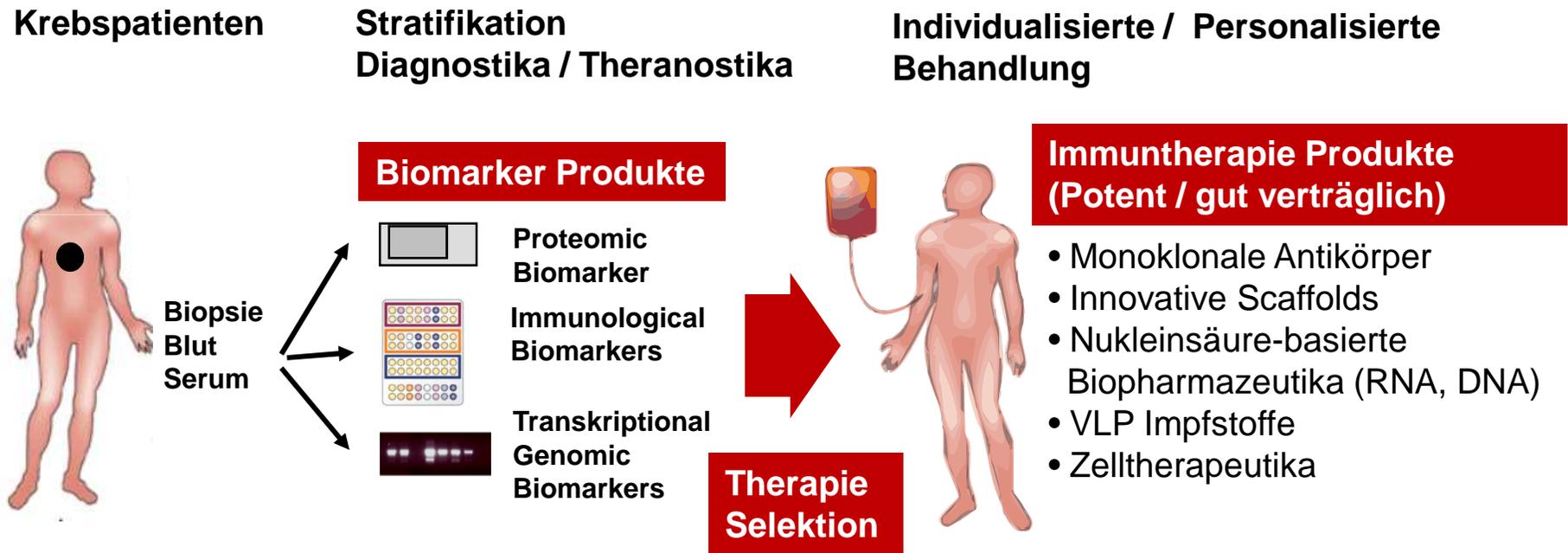
15-24 Monate Vorsprung in der klinischen Testung

- Kurze Produktionszeit
- Minimale Kosten
- Universeller Herstellungsprozess
- Geringe Kompetition

Kompetitive Vorteile für den industriellen und klinischen Einsatz

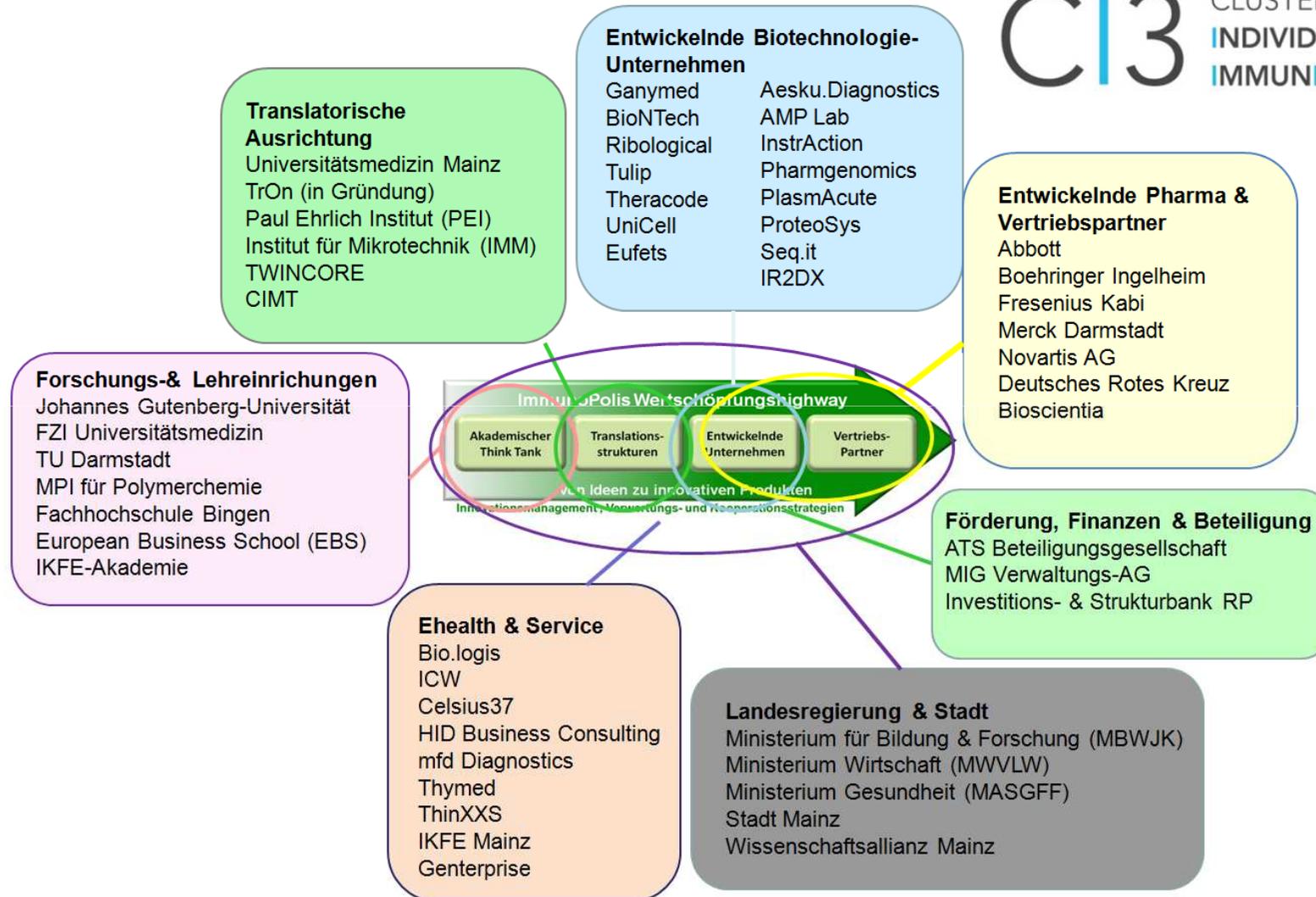
- Herstellung schnell und kostengünstig
- Hohe Produktstabilität (kein Zerfall bei Raumtemperatur)
- Einheitliche chemische Charakteristiken
- Sicher (keine Integration in Genom, keine Gentherapie)
- Potente Impfstoffeigenschaften (Krebs-, und Infektionskrankheiten)
- Transient („transiente Gentherapie“)
- Regulierbare Pharmakokinetik (HWZ Minuten bis Tage)
- Riesiges Marktpotential (alle Proteinpharmaka incl. Hormone, Zytokine, Antikörper)

TheraCode: Diagnostika für Stratifikation & Krebsfrühdagnostik



Cluster für Individualisierte Immunintervention – CI3

CI3 CLUSTER FÜR INDIVIDUALISIERTE IMMUNINTERVENTION



Ausgewählt für 2. Runde BMBF Spitzenclusterwettbewerb